

研究開発事業に係る技術評価書(事前評価)

事業名	再生医療技術を応用した高度な創薬支援ツール技術開発 (「再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業」に追加する新規テーマ)		
担当部署	経済産業省 商務・サービスグループ 生物化学産業課		
事業期間	2022 年度～2026 年度(5 年間)		
概算要求額	2022 年度 4,600(百万円)(うち新規テーマ分 695 百万円)		
会計区分	☒ 一般会計 / ☐ エネルギー対策特別会計		
実施形態	経産省(定額補助) → AMED(委託) → 大学、民間企業等		
類型	☐ 複数課題プログラム / ☒ 研究開発プロジェクト / ☐ 研究資金制度		
事業目的	医薬品等の開発では動物や細胞片による非臨床試験が不可欠だが、①細胞片では全身への作用を評価できないこと、②動物では種差による偽陰性・偽陽性があることや、③動物実験そのものへの批判が高まっていることから動物実験代替法の推進が求められていることが大きな課題である。 本事業では製薬企業等のユーザーニーズを踏まえながら、高品質な iPS 細胞由来等の複数の臓器細胞を搭載した評価デバイス等の創薬支援ツールを開発することで、新しいモダリティも含めた医薬品開発の際にヒトへの安全性等を高い信頼性で予測できる革新的な評価技術確立する。これにより我が国の製薬業界の新薬開発を加速し、国際競争力強化を目指す。		
事業内容 (アクティビティ)	① 創薬支援ツールに搭載する iPS 細胞等の安定的な供給に繋げるために、高品質・高均質な iPS 細胞作成を可能とする技術をプロトコル化・自動化する。また、細胞の培養や分化誘導方法の確立及び自動化などを実施する。 ② 安全性を予測できる高度創薬支援ツールの実用化につなげるために、創薬エコシステム基盤を活用して、新たなモダリティ(抗体医薬、細胞医薬、核酸医薬、遺伝子治療薬など)、感染症を含む新疾患の医薬品候補化合物の評価を念頭に置いた、動物実験では確認できない副作用等の検出、多臓器連関や日本人固有の遺伝的多型への対応など、ユーザーニーズを踏まえた高い生体模倣性を持つ国際競争力のある創薬支援ツールの設計・開発を実施する。 ③ 国際規制調和を想定し、薬事審査の際に参照される査読論文の作成等の国際展開を行う。		
研究開発目標(アウトプット目標)の指標		研究開発目標(アウトプット目標)	
2024 年度 (中間目標)	国際競争力のある国産技術を活用した新規性のある創薬支援ツール開発のコアとなる技術の確立数	2 件	① ごく少量の末梢血から iPS 細胞を樹立する技術プロトコルの確立 ② プロトコル化した技術の機械実装化のプロトタイプを複数台作製
2026 年度 (最終目標)		6 件 (累積)	ユーザーニーズを踏まえ、 ③ 上記プロトコルに基づき作成された iPS 細胞から分化誘導した、高品質な臓器細胞やオルガノイドの製造 ④ デバイス連結に係る技術のそれぞれを組み合わせて多施設検証試験を実施

研究開発成果(アウトプット)の受け手		
製薬企業、医薬品開発業務受託機関(CRO)など		
アウトカム指標		アウトカム目標
2028 年度	本事業で開発した新モダリティ等に対応した高度な創薬支援ツールについて、薬事申請に必要とされる安全性・体内動態等のデータ基盤の整備等を目的として利用した製薬企業等の数	10 社
外部有識者の所見【技術評価】		
本事業分野においては、欧米が戦略的に取り組んでおり、今後競争が激しくなると考えられるが、現在の技術開発の優位性を維持しながら、ユーザーニーズを適切に把握し、高品質で再現性の高いデバイスを開発していただきたい。 また、医薬品開発の成功率向上等のために、MPS 技術の開発は非常に重要であり、事業実施に際しては、データ蓄積、標準化、規制当局への対応など、社会実装に至るまでの戦略を立てながら進めていただきたい。 〔第 57 回産業構造審議会評価ワーキンググループ〕		
上記所見を踏まえた対処方針		
ご指摘を踏まえて、AMED の事業実施体制において製薬企業の専門家等をヘッドクォーターとして配置し、研究内容はユーザーニーズに基づいて的確なマネジメントを実施する。また、産学官が結集した集中研究体制を整備して、規制当局との連携の実施、データの蓄積、標準化等も視野に入れた戦略的な研究開発を実施するとともに、プロジェクト終了後にも継続して成果普及を推進するための産学の関係機関との連携体制を構築する。		

再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業

令和4年度概算要求額 **46.0億円（40.0億円）**

事業の内容

事業目的・概要

- 再生医療は、臨床現場の新たな治療の選択肢となるとともに、動物実験の代替や新規モデルの評価等を可能とする創薬支援ツールとしての応用が期待されています。
- また遺伝子治療は、難治性疾患等の根本的な治療につながることから、急速な市場拡大が起こり、汎用性のあるプラットフォーム製造技術開発や国際競争力のある技術開発などへの支援が求められています。
- 再生医療・遺伝子治療の産業化を促進するために、
 - 有効性、安全性、再現性の高いヒト細胞加工製品の効率的な製造技術基盤の確立
 - 再生医療技術を応用し、様々な臓器の細胞を活用した、医薬品の安全性等を評価するための創薬支援ツールの開発
 - 高品質な遺伝子治療薬を製造するために必要な国際競争力のある大量製造技術の確立等を進めていきます。

成果目標

- 平成27年度から令和8年度までの12年間の事業であり、再生医療分野・遺伝子治療分野の産業化を目指します。具体的には、
- 令和10年度までに、再生医療等製品の薬事申請数12件
 - 令和10年度までに、本事業で開発した創薬支援ツールを利用した製薬企業等の数10社等を目指します。

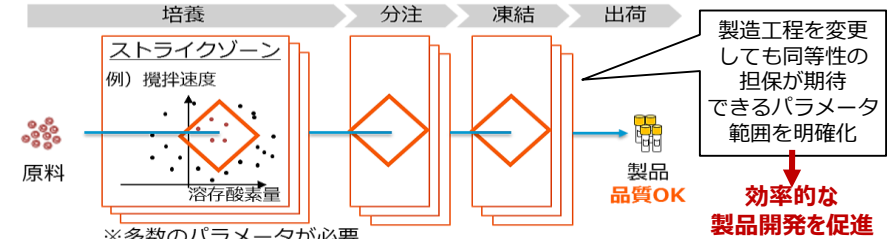
条件（対象者、対象行為、補助率等）



事業イメージ

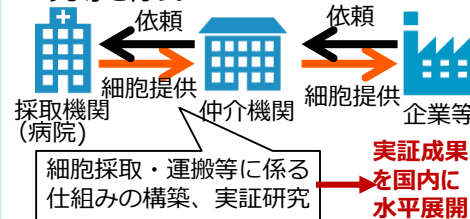
(1) ヒト細胞加工製品製造基盤技術開発

- ヒト細胞加工製品の製造工程の暗黙知を明確化し、有効性、安全性、再現性の高い再生医療等製品を効率的に製造できるような技術基盤を確立する。



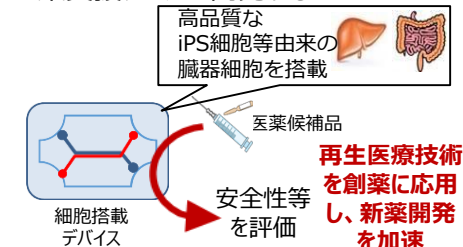
(2) 再生医療用原料細胞安定供給研究開発

- 品質の確保された原料細胞の採取・運搬等に係る仕組みの構築やそのための手順明確化等に関する実証研究等を行う。



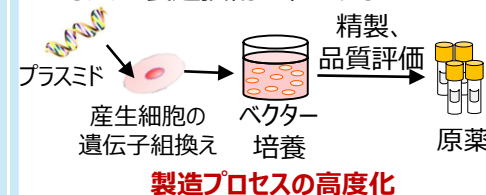
(3) 高度創薬支援ツール基盤技術開発

- 高品質のiPS細胞等から分化誘導される各種臓器の細胞等を用いた創薬支援ツールを開発する。



(4) 遺伝子治療製造技術開発

- 遺伝子治療に関する高品質で安全性の高い治療用ベクターの培養・製造技術等を開発し、国際競争力のある大量製造技術を確立する。



(5) 産業化促進研究開発

- 実用化を目指す再生医療等製品シーズの製造プロセス構築、評価手法等の開発を行い、産業化を加速する。

